

**waylivra**<sup>™</sup> (volanesorsen sodný)  
285 mg injekčný roztok  
naplnený v injekčnej striekačke  
**volanesorsen**

**Dôležité informácie o minimalizácii rizika pre zdravotníckych pracovníkov  
WAYLIVRA<sup>™</sup> ▼ (volanesorsen sodný)**

Tento liek je predmetom ďalšieho monitorovania. To umožní rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti. Od zdravotníckych pracovníkov sa vyžaduje, aby hlásili akékoľvek podozrenia na nežiaduce reakcie. Informácie o tom, ako hlásiť nežiaduce reakcie, nájdete na konci tejto príručky.

## Príručka pre zdravotníckych pracovníkov

WAYLIVRA je indikovaná u dospelých pacientov s geneticky potvrdeným syndrómom chylomikronémie (familial chylomicronemia syndrome – FCS) na diéte a s vysokým rizikom pankreatitídy, u ktorých nebola odpoveď na kombináciu diéty a liečby na zníženie triglyceridov dostatočná.

### KLÚČOVÉ BODY MINIMALIZÁCIE RIZIKA

#### Trombocytopénia

WAYLIVRA je veľmi často spojená so znížením počtu trombocytov u pacientov s FCS, čo môže viesť k trombocytopénii. Pacienti s nižšou telesnou hmotnosťou (menej ako 70 kg) môžu byť počas liečby týmto liekom náchylnejší na trombocytopéniu. **Počas liečby je dôležité starostlivé sledovanie trombocytopénie a v prípade potreby úprava liečby.**

#### Odporúčania na sledovanie trombocytov

Pred začatím liečby je potrebné vyšetriť počet trombocytov. Ak je počet trombocytov nižší ako  $140 \times 10^9/l$ , má sa vykonať ďalšie vyšetrenie približne o týždeň a znovu vyhodnotiť výsledok. Ak pri druhom vyšetrení zostane počet trombocytov nižší ako  $140 \times 10^9/l$ , WAYLIVRA sa nesmie začať podávať.

Po začatí liečby musia byť pacientom monitorované hladiny trombocytov najmenej každé dva týždne, v závislosti od hladiny trombocytov.

Frekvencia liečby a monitorovania sa musí upraviť podľa laboratórnych hodnôt v súlade s nasledujúcou tabuľkou.

Počet trombocytov ( $\times 10^9/l$ )	Dávka (285 mg v naplnenej striekačke)	Frekvencia monitorovania
Normálny ( $\geq 140$ )	Začiatková dávka: týždenne Po 3 mesiacoch: každé 2 týždne	každé 2 týždne
100 až 139	Každé 2 týždne	Týždenne
75 až 99	Prerušte liečbu na dobu $\geq 4$ týždňov a po nej pokračujte v liečbe, ak je počet trombocytov $\geq 100 \times 10^9/l$	Týždenne
50 až 74 <sup>a</sup>	Prerušte liečbu na dobu $\geq 4$ týždňov a po nej pokračujte v liečbe, ak je počet trombocytov $\geq 100 \times 10^9/l$	Každé 2 – 3 dni
Menej ako 50 <sup>a,b</sup>	Ukončte liečbu. Odporúčajú sa glukokortikoidy.	Denne

<sup>a</sup> Odporúčania týkajúce sa použitia antiagregačných liekov/nesteroidných protizápalových liekov (NSAID)/antikoagulancií nájdete v časti 4.4 Súhrnu charakteristických vlastností lieku (SmPC).

<sup>b</sup> Na posúdenie prínosu/rizika prípadnej ďalšej liečby volanesorsenom je potrebná konzultácia s hematológom.

Aby sa zabránilo riziku závažného krvácania v dôsledku ťažkej trombocytopénie, je dôležité, aby sa dodržiaval liečebný algoritmus. **Trvanie liečby na jednotlivé predpisy má byť primerané a podporovať dodržiavanie dávkovania a frekvenciu monitorovania liečby volanesorsenom.**

**waylivra**<sup>™</sup> (volanesorsen sodný)  
285 mg injekčný roztok  
naplnený v injekčnej striekačke  
**volanesorsen**

### Vhodný výber pacienta

- Kontraindikácia: WAYLIVRA je kontraindikovaná pri chronickej alebo neobjasnenej trombocytopénii. Liečba sa nemá začínať u pacientov s trombocytopéniou (počet trombocytov  $< 140 \times 10^9/l$ ).

### Liekové interakcie

Neuskutočnili sa žiadne klinické štúdie liekových interakcií.

- Nie je známe, či sa riziko krvácania zvyšuje pri súčasnom užívaní volanesorsenu a antitrombotík alebo liekov, ktoré môžu znížiť počet trombocytov alebo ovplyvniť ich funkciu. Pri hladinách trombocytov  $< 75 \times 10^9/l$  sa má zvážiť vysadenie antiagregačných liekov/NSAID/antikoagulancií a liečba týmito liekmi sa má ukončiť u pacientov s hladinami trombocytov  $< 50 \times 10^9/l$ .

### Poradenstvo pacientom

Pacienti majú byť informovaní o riziku trombocytopénie a o tom, že môže byť život ohrozujúca.

Pacientov je potrebné poučiť, aby **okamžite vyhľadali lekársku pomoc, ak sa u nich vyskytnú akékoľvek prejavy krvácania**, ktoré môžu zahŕňať petéchie, spontánne podliatiny, subkonjunktiválne krvácanie alebo iné nezvyčajné krvácanie (vrátane krvácania z nosa, krvácania z ďasien alebo do stolice alebo nezvyčajne silné menštruačné krvácanie), stuhnutosť krku, atypické silné bolesti hlavy alebo akékoľvek dlhotrvajúce krvácanie.

**Každému pacientovi je potrebné pripomenúť, aby si prečítal Písomnú informáciu pre používateľa, Príručku pre pacientov a opatrovateľov a dôležitosť dodržiavania požiadavky na priebežné sledovanie počtu trombocytov počas liečby.**

### APPROACH štúdia

V hlavnej štúdii fázy 3 s volanesorsenom u pacientov s FCS (štúdia APPROACH) a v jej open-label pokračovaní bol pozorovaný počet trombocytov pod normálnou hodnotou ( $140 \times 10^9/l$ ):

- V štúdii APPROACH (66 liečených pacientov) bolo 33 pacientov liečených volanesorsenom a 33 pacientov bolo liečených placebo. Potvrdené zníženie počtu trombocytov pod normálne hodnoty ( $140 \times 10^9/l$ ) sa pozorovalo u 75% (24/33) pacientov s FCS liečených volanesorsenom a u 24% (8/33) pacientov užívajúcich placebo; potvrdené zníženie pod  $100 \times 10^9/l$  bolo pozorované u 47% (15/33) pacientov liečených volanesorsenom v porovnaní s nulovým počtom pacientov užívajúcich placebo.
- V štúdii APPROACH a v jej open-label pokračovaní boli pacienti, ktorí ukončili liečbu kvôli trombocytopénii: 3 pacienti s počtom trombocytov  $< 25 \times 10^9/l$ , 2 pacienti s počtom trombocytov medzi  $25 \times 10^9/l$  a  $50 \times 10^9/l$  a 5 pacienti s počtom trombocytov medzi  $50 \times 10^9/l$  a  $75 \times 10^9/l$ . U žiadneho z týchto pacientov sa nevyskytli závažné krvácavé príhody a u všetkých došlo po vysadení liečby a podaní glukokortikosteroidov (v prípadoch, kde to bolo medicínsky indikované) k normalizácii počtu trombocytov.

**waylivra**<sup>™</sup> (volanesorsen sodný)  
285 mg injekčný roztok  
naplnený v injekčnej striekačke  
**volanesorsen**

### Register lieku WAYLIVRA®

Na vyžiadanie Európskej liekovej agentúry (EMA) sa vedie európsky register pacientov s FCS, ktorí sú liečení WAYLIVROU. Zahrnutie pacientov s FCS do tohto registra je dobrovoľné. U pacientov, ktorí sú liečení WAYLIVROU, pomôže register lepšie špecifikovať trombocytopéniu a riziko krvácania v podmienkach bežnej starostlivosti, ako aj dlhodobú bezpečnosť lieku WAYLIVRA.

### Hlásenie podozrení na nežiaduce reakcie

Hlásenie podozrení na nežiaduce reakcie po registrácii lieku je dôležité. Umožňuje priebežné monitorovanie pomeru prínosu a rizika lieku. Od zdravotníckych pracovníkov sa vyžaduje, aby hlásili akékoľvek podozrenia na nežiaduce reakcie na Štátny ústav pre kontrolu liečiv, Sekcia klinického skúšania liekov a farmakovigilancie, Kvetná ul. 11, 825 08 Bratislava 26, tel: +421 2 507 01 206,

e-mail: [neziaduce.ucinky@sukl.sk](mailto:neziaduce.ucinky@sukl.sk). Tlačivo na hlásenie podozrenia na nežiaduci účinok lieku je na webovej stránke [www.sukl.sk](http://www.sukl.sk) v časti Bezpečnosť liekov/Hlásenie podozrení na nežiaduce účinky liekov. Formulár na elektronické podávanie hlásení: <https://portal.sukl.sk/es-kadra/>.

Hlásenie podozrení na nežiaduce reakcie je možné nahlásiť aj spoločnosti Swedish Orphan Biovitrum AB na adresu: [drugsafety@sobi.com](mailto:drugsafety@sobi.com) alebo [mail.sk@sobi.com](mailto:mail.sk@sobi.com), tel.: +421 2 3211 1540.

Hlásením podozrení na nežiaduce účinky prispievate k získaniu ďalších informácií o bezpečnosti tohto lieku.

Waylivra je predmetom ďalšieho monitorovania. To umožní rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti.